



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

16. oktoober 2025  
EMA/298985/2025

## EMA kinnitab sirprakkaiguse ravimi Oxbryta müügiloa peatamise

Suurem surmajuhtumite ja haigustüsistuste arv hiljutistes kliinilistes uuringutes tähendab, et kasulikkuse ja riski suhe ei ole enam soodne.

16. oktoobril 2025 soovitas EMA inimravimite komitee peatada sirprakkaiguse ravimi Oxbryta müügiloa. See soovitus järgnes ajutistele meetmetele, mille komitee võttis septembris 2024, kui peatas ajutiselt ravimi müügiloa, et vaadata läbi uued ohutusandmed.

Pärast hindamist järeldas inimravimite komitee, et ravimi kasulikkus ei ületa enam selle riske. Läbivaatamine algatati pärast seda, kui ühes kliinilises uuringus<sup>1</sup> näitasid andmed Oxbryta kasutamisel suuremat surmajuhtumite arvu kui platseebo (näiv ravim) kasutamisel ja teises uuringus<sup>2</sup> eeldatust suuremat surmajuhtumite arvu.

Esimeses uuringus, milles hinnati Oxbryta toimet sirprakkaigusega patsientidel, kellel oli suurem insuldirisk, suri 8 Oxbrytaga ravitud last ja 2 platseebot saanud last. Teises uuringus, milles hinnati ravimi toimet jalahaavanditele, mis on sirprakkaiguse teadaolev tüsistus, suri Oxbryta rühmas esimese 12 ravinädala jooksul 1 inimene ja platseeborühmas surmajuhtumeid ei esinenud. Uuringu järgmises 12-nädalases faasis, kus kõik patsiendid said Oxbrytat, teatati veel 8 surmajuhtumist. Uuringud tõendasid ka, et Oxbrytaga ravitud patsientidel esines rohkem äkilisi tugeva valu hooge (sealhulgas vasooklusiivseid kriise) kui platseebot saanud patsientidel.

26. septembril 2024 soovitas inimravimite komitee ettevaatusmeetmena peatada müügiloa, kui ilmnesis täiendavad andmed kahest registripõhisest uuringust, mis tõendasid, et patsientidel esines Oxbryta kasutamisel äkilisi valuhooge sagedamini kui enne ravi alustamist. Sel ajal andis EMA nõu tervishoiutöötajatele ja patsientidele, rõhutades, et Oxbrytat ei tohi enam määrata ja sellega ravi alustanud patsiendid tuleb üle viia muule ravile.<sup>3</sup>

<sup>1</sup> Global Blood Therapeutics. *GBT440-032 Phase 3 Study in Participants with Sickle Cell Disease (HOPE Kids 2)*. IRAS ID: 242661. EudraCT number: 2017-000903-26. REC viide: 18/LO/0359. London - City & East Research Ethics Committee. Health Research Authority. Avaldatud aadressil: <https://www.hra.nhs.uk/planning-and-improving-research/application-summaries/research-summaries/gbtt440-032-phase-3-study-in-participants-with-sickle-cell-disease>

<sup>2</sup> *A Phase 3, Multicenter, Randomized, Double-Blind, Placebo-Controlled Trial to Evaluate the Efficacy of Voxelotor for the Treatment of Leg Ulcers in Patients with Sickle Cell Disease (RESOLVE)*. EudraCT number: 2025-000161-87. ClinicalTrials.gov tunnus: NCT05561140. Avaldatud aadressil: <https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/trial/2025-000161-87/3rd>

<sup>3</sup> [https://www.ema.europa.eu/en/documents/referral/oxbryta-article-20-procedure-suspension-sickle-cell-disease-medicine-oxbryta\\_en.pdf](https://www.ema.europa.eu/en/documents/referral/oxbryta-article-20-procedure-suspension-sickle-cell-disease-medicine-oxbryta_en.pdf)



Kuigi registriuringute lõplik analüüs ei kinnitanud Oxbryta kasutamisel äkiliste valuhoogude sagenemist, näitasid hiljutised kliinilised uuringud äkiliste valuhoogude ja surmajuhtumite sagenemist. Need tulemused olid vastuolus Oxbryta müügiloa andmist toetanud varasema kliinilise uuringu tulemustega, milles ei tõendatud ravirühmade erinevust.

Läbivaatamisel märkis inimravimite komitee, et uuringutes Oxbryta-ravile järgnenud surmajuhtumite ja tüsistuste, sealhulgas äkiliste valuepisoodide sagenemise alusmehhanismid on endiselt ebaselged. Inimravimite komitee ei leidnud selget selgitust suurenenud riskide kohta ega suutnud tuvastada meetmeid, kuidas neid riske tõhusalt minimeerida, ega patsientide alarühma, kellel ületaks ravimi kasulikkuse riske. Selle tulemusena järeltas inimravimite komitee, et Oxbryta kasulikkuse ja riski suhe ei ole enam soodne ning ravimi müügiloa peatamine peab jätkuma. Sel põhjusel ei saa tervishoiutöötajad Oxbrytat ELis patsientidele määrata.

Arvamuse koostamisel võttis inimravimite komitee arvesse ka valdkonna ekspertide ja patsientide esindajate nõuandeid ning konsulteeris EMA ravimiohutuse riskihindamise komiteega võimalike riskiminimeerimismeetmete osas.

---

### **Ravimi lisateave**

Oxbryta sai müügiloa veebruaris 2022 hemolüütilise aneemia (erütrotsüütide ehk vere punaliblede liigne lagunemine) raviks vähemalt 12-aastastel sirprakkaigusega patsientidel. Seda kasutati ainuravimina või koos sirprakkaiguse muu ravimi hüdroksükarbamiidiga. Oxbryta sisaldab toimeainet vokselotoori.

Sirprakkaigus on geneetiline haigus, mille korral tekib hemoglobiini (erütrotsüütide ehk vere punaliblede valk, mis kannab hapnikku) ebanormaalne vorm. Erütrotsüüdid muutuvad jäigaks ja kleepuvaks ning kettakujulisest sirpjaks.

### **Menetluse lisateave**

Oxbryta läbivaatamine algatati 29. juulil 2024 Euroopa Komisjoni taotlusel [määruse \(EÜ\) nr 726/2004 artikli 20](#) alusel.

Läbivaatamise tegi inimravimite komitee, kes vastutab inimravimitega seotud küsimuste eest ja kes võttis vastu ameti arvamuse.

Inimravimite komitee arvamus edastati Euroopa Komisjonile, kes tegi 9. detsembril 2025 lõpliku õiguslikult siduva otsuse, mida kohaldatakse kõigis ELi liikmesriikides.